

Härtefallprogramm zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie Stellungnahme der deutschen Behandlungszentren

Stand: 17.10.2016

Die Firmen Ionis und Biogen entwickeln gemeinsam ein Medikament zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie (SMA). Dieses Medikament heißt Nusinersen® und beeinflusst das sogenannte Spleißen des SMN2-Gens. Dadurch soll eine vermehrte Produktion des fehlenden SMN-Proteins ermöglicht werden. Zurzeit laufen verschiedene Studien, um dieses Medikament bei Patienten mit SMA zu testen.

Eine Zwischenauswertung der Studie zur Behandlung der SMA Typ I hat nun positive Ergebnisse gezeigt. Patienten, die das Medikament Nusinersen® erhielten, haben sich motorisch besser entwickelt als die Patienten, die ein Placebo (Scheinbehandlung) erhalten haben. Mit diesen Ergebnissen wird die Firma Biogen nun eine Zulassung des Medikaments zur Behandlung der SMA beantragen. Die Prüfung des Antrags durch die Zulassungsbehörden wird aber erfahrungsgemäß einige Monate dauern.

Um diese Zeit zu überbrücken, hat das BfArM am 14. Oktober 2016 ein sogenanntes Härtefallprogramm genehmigt. Dadurch ist es möglich unter bestimmten Umständen schwer betroffene Patienten mit SMA Typ I schon vor einer Entscheidung über die Zulassung mit Nusinersen® zu behandeln.

Das Härtefallprogramm erlaubt eine Behandlung nur bei Patienten, bei denen schon in den ersten sechs Lebensmonaten eindeutige Symptome der SMA vorlagen. Die Behandlung erfolgt durch eine Lumbalpunktion (Nervenwasserentnahme) und muss regelmäßig wiederholt werden. Für die Behandlung ist jedes Mal ein stationärer Krankenhausaufenthalt für zwei Nächte zur Vorbereitung und Überwachung der Behandlung notwendig. Bei der Krankenkasse muss dafür vorher eine Kostenübernahme beantragt werden.

In den bisherigen Studien wurde die Behandlung mit Nusinersen® immer recht früh nach Diagnosestellung begonnen (bis zum Alter von 7 Monaten). Alle Patienten hatten bei Beginn der Behandlung ohne Atemunterstützung eine gute Sauerstoffsättigung. Es ist also nicht bekannt, ob die Therapie auch einen Effekt zeigt, wenn Sie erst im fortgeschrittenen Krankheitsstadium begonnen wird. Deshalb muss in jedem Einzelfall gut überlegt werden, ob ein Behandlungsversuch mit Nusinersen® sinnvoll ist. Vor allem bei schwer betroffenen SMA Patienten sind mit der Behandlung auch erhebliche Risiken durch Transport, Sedierung, Skoliose und andere Faktoren verbunden.

Eine Teilnahme an dem Härtefallprogramm ist zurzeit in Deutschland nur an den Universitätskliniken in Essen, Freiburg und München möglich. Bei Interesse nehmen Sie bitte mit dem jeweils nächstliegenden Zentrum Kontakt auf. In jedem Einzelfall muss dann gemeinsam mit dem Zentrum entschieden werden, ob und wann eine Behandlung möglich und sinnvoll ist.

Prof. Dr. Jan Kirschner
Prof. Dr. Wolfgang Müller-Felber
Prof. Dr. Ulrike Schara

Kontakt Daten der drei Zentren:

Universitätsklinikum Essen, Universität Duisburg-Essen

Prof. Dr. Ulrike Schara, Dr. Heike Kölbl

Abteilung für Neuropädiatrie, Entwicklungsneurologie und Sozialpädiatrie

Neuromuskuläres Zentrum für Kinder und Jugendliche

Hufelandstrasse 55, 45122 Essen

Tel. 0201 723 2176, Fax 0201 723 5389

heike.koelbel@uk-essen.de

ulrike.schara@uk-essen.de

Universitätsklinikum Freiburg

Prof. Dr. Jan Kirschner, Sabine Wider

Klinik Neuropädiatrie und Muskelerkrankungen

Mathildenstr. 1, 79106 Freiburg

Tel. 0761 270 43440, Fax 0761 270 44460

sabine.wider@uniklinik-freiburg.de

janbernd.kirschner@uniklinik-freiburg.de

LMU Klinikum der Universität München

Prof. Dr. med. Wolfgang Müller-Felber

Dr. von Haunersches Kinderspital

Lindwurmstr. 4, 80337 München

Tel. 089 4400 55110, Fax 089 4400 57745

astrid.blaschek@med.uni-muenchen.de

wolfgang.mueller-felber@med.uni-muenchen.de